再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床 PoC 取得研究課題）
研究開発課題評価（令和 8 年度実施）
事後評価結果報告書

研究開発課題名	肝移植患者の免疫抑制剤を最低用量化する個別化医療の実現にむけた新規制御性 T 細胞製剤開発研究
代表機関名	学校法人順天堂
研究開発代表者名	内田　浩一郎
全研究開発期間	令和 5 年 6 月 19 日から令和 8 年 3 月 31 日

【評価コメント】

本研究開発課題では、移植患者由来臨床検体および移植モデルを用いて、制御性 T 細胞（Treg）の組織移行性、機能安定性および組織適応性を規定する分子機構を解明するとともに、その知見を基盤として機能改善遺伝子を導入した次世代エンジニアリング Treg 細胞（ACE-Treg）の創出を目指して研究開発が実施された。Treg 細胞の安定性や組織適応能を増強し得る分子群を明らかにすることで創出した ACE-Treg について、マウス移植モデルおよびヒト細胞を用いた評価系で、炎症組織への高い移行能、安定した免疫抑制機能および優れた拒絶反応抑制効果を示している研究成果は評価できる。非臨床 PoC 取得においては、臨床応用を見据えたヒト・エンジニアリング Treg 細胞による有効性評価を優先すべきとの判断から、一部当初計画が変更されたものの、臨床検体解析から製造・品質管理・知財戦略を含めた実用化基盤の構築まで、臨床応用に繋がる成果が積み上げられている点が評価できる。一方で、リバース・トランスレーショナルリサーチ（rTR）としては、研究の独自性をさらに高めるとともに、既存研究と比較して、非臨床 PoC 確立の妥当性および堅牢性をより明確に示すことが求められる。本事業終了後に採択された再生医療等実用化研究事業において、臨床試験の実施に向けた研究開発が継続されており、実用化に向けた更なる展開を期待する。今後、費用対効果の十分な検証・評価を踏まえ、その最大化を図りながら、米国等での展開の構想の他、適応拡大を見据えた国内での適応疾患の絞込みの検討や先進医療への展開も含め、多角的な検討を行い、社会実装に進むことを期待する。